

# 临床试验结果

一项旨在深入了解富马酸二甲酯 (DMF) 及其对中国复发型多发性硬化症成人患者复发影响的研究

研究药物: 富马酸二甲酯 (DMF/Tecfidera)

研究方案编号: 109MS424

研究日期:

开始日期: 2023 年 6 月 28 日

完成日期: 2025 年 4 月 12 日

# 谢谢！

临床研究的个体参与者是全球庞大的研究团体中的一员。通过参与研究，参与者助力研究人员解答重要的健康问题和了解新药物。

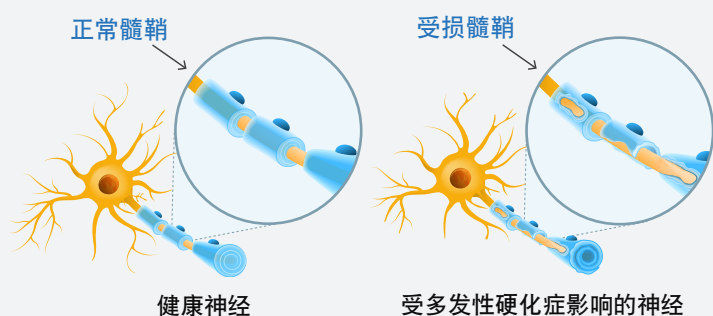
在本研究中，研究人员更深入地了解了富马酸二甲酯（也称为 DMF 或 Tecfidera）治疗复发型多发性硬化症患者情况。

作为本研究的申办方，渤健 (Biogen) 感谢研究参与者参与本研究，并相信分享这项研究的总体结果非常重要。如有任何问题，请与所在研究中心的医生或工作人员进行沟通。

## 为何要做这项研究？

研究人员正在测试一种已获批准并可能有助于治疗某些类型的多发性硬化症（又称 MS）患者的药物。

MS 患者的免疫系统会攻击大脑和脊髓中的神经。这会导致髓鞘（神经的保护层）损伤。这些受损区域被称为病灶。



髓鞘损伤会使大脑功能受损并难以向全身传递信息。MS 的症状包括麻木、刺痛和肌无力，以及视力、行走、思考和如厕等方面的问题。对某些患者而言，MS 的症状可能严重且持久。这会使工作、照料家人、出行等日常活动变得困难重重，甚至完全无法完成。女性比男性更容易罹患 MS。

复发型 MS（也称为 RMS）患者会出现复发发作。复发是指出现新症状或现有症状恶化。

MS 是一种进行性疾病。这意味着病情会缓慢恶化，在极少数情况下甚至会导致死亡。目前，尚无药物能够治愈 MS 或修复受损的神经。MS 的治疗方法包括使用药物来减少免疫系统对神经的攻击频率。

富马酸二甲酯（也称为 DMF 或 Tecfidera）是一种获批用于治疗 RMS 的药物。该药物于 2021 年在中国获得批准。在药物获批后开展了这项研究，旨在进一步了解 DMF 治疗中国 RMS 患者的情况。

### 研究人员希望解答的主要问题是：

- 在接受 48 周 DMF 治疗期间，参与者一年内发生了多少次 MS 复发？
- 参与者出现哪些不良反应？

不良反应是指可能由研究药物引起的健康问题。不良反应可在临床研究过程中发生，也可在研究结束后的一定时间内发生。

## 本研究有哪些参与者?

这项研究共有 60 名参与者, 其中包括 21 名男性和 39 名女性。



21 (35%) 名男性



39 (65%) 名女性

所有参与者年龄均在 18 岁至 65 岁之间。  
研究在中国的 15 个研究中心进行。

中国  
60 名参与者

满足如下条件的参与者方有资格参与本研究:



年龄在 18 岁至 65 岁之间



已被诊断患有某种类型的 RMS, 且未处于活动性复发期

- 本研究纳入的 RMS 类型包括: 临床孤立综合征 (CIS)、复发缓解型 MS (RRMS) 和活动性继发进展型 MS (活动性 SPMS)



符合以下条件之一:

- 在参与研究前的 6 周内进行的脑部影像扫描显示, 存在由 MS 引起的活动性病灶
- 任何时间点进行的脑部影像扫描显示存在病灶, 且在加入研究前的 12 个月内至少出现 1 次复发

关于哪些人可以参与本研究, 请参阅[本总结报告末页](#)中所列网页来了解更多信息。

## 参与者接受了什么研究药物?

研究人员在本研究中研究以下药物:



DMF: 120 或 240 毫克 (mg), 以胶囊形式口服, 每日 2 次。

- 参与者在第一周以较低剂量开始治疗, 为 120 毫克。
- 第 1 周后, 剂量增加至 240 毫克。
- 若参与者出现皮肤潮红或胃部不适等反应, 可酌情降低剂量。

# 研究过程中发生了什么？

## 研究是如何进行的？

本研究为：

### 4 期

临床研究中的一步，其目标是在药物获批用于公众之后，进一步了解该药物的作用机制。

### 开放标签研究

在这项研究中，参与者、研究医生和研究机构的工作人员都知道参与者正在接受哪种研究药物。这意味着研究人员和参与者都知道所有参与者接受了 DMF 治疗。

参与者在不同的时间加入研究，但都遵循以下的基本时间表：

### 筛查期 – 最长 4 周

- 参与者在加入研究前需经过筛查。
- 在筛查访视中，研究医生核查每位参与者的病史。
- 筛查程序还包括：



体检



心脏  
检查



血液和  
尿液检查



关于参与者生活  
质量的问题



脑部磁共振成像  
(MRI) 扫描

- 在整个研究过程中，研究人员持续定期进行这些测试，以监测参与者的健康、安全和疾病状况。

### 治疗期 – 48 周

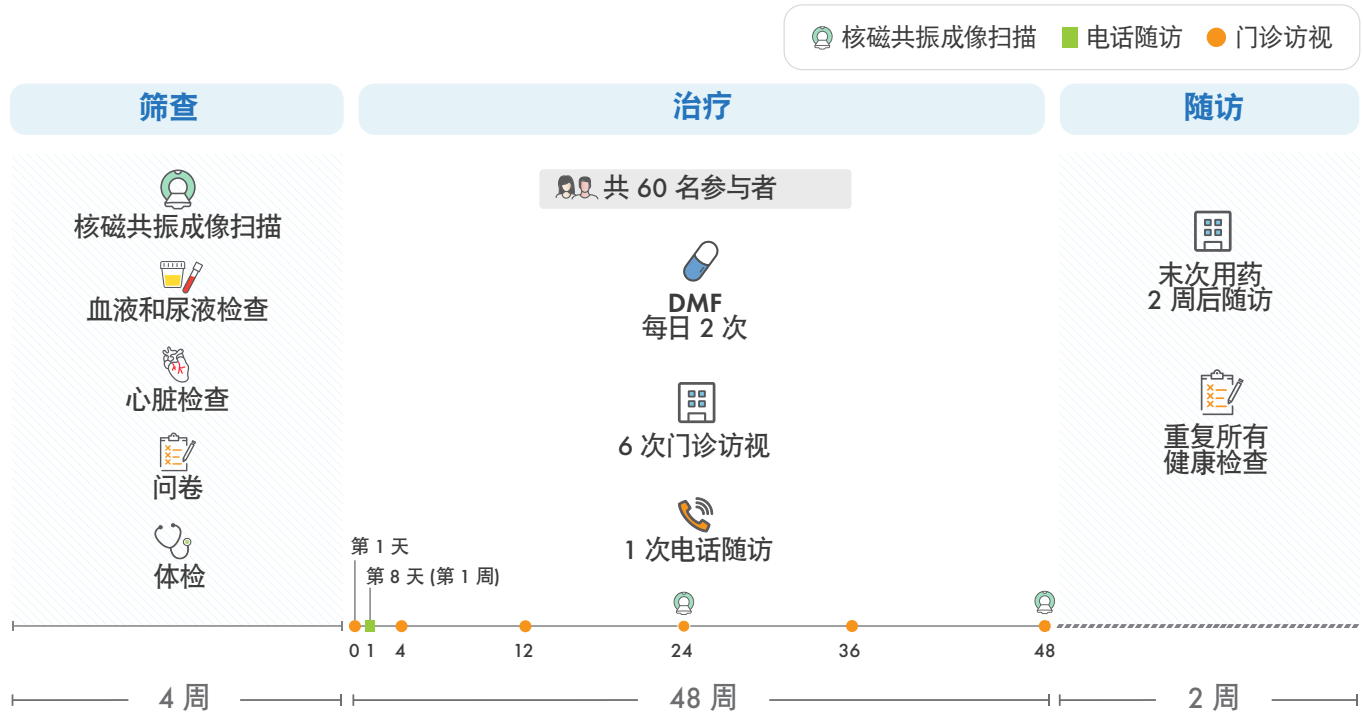
- 筛查结束后，60 名参与者开始应用 DMF，每天 2 次。
- 在 48 周内，参与者前往诊所进行 6 次健康检查。
- 研究医生在第 24 周和第 48 周进行脑部 MRI 扫描，以检查是否存在病灶及其他 MS 体征。
- 在应用首剂药物一周后，研究人员通过电话联系参与者，以询问他们的健康状况。
- 如果受试者提前停止治疗，他们会被要求在治疗结束后接受检测并进行安全性随访。

### 安全性随访 – 2 周

- 应用最后一剂 DMF 两周后对参与者进行安全性随访。
- 在此次随访中，医生们重复进行之前的检查，以确保参与者在退出研究之前身体状况良好。

参与者最长可参与本研究达 54 周。

下图显示了研究的实施过程。



## 研究结果如何？

研究结束后，渤健创建了一份结果报告。此文是对该报告的一个概述。概述结果展示了 60 名接受至少 1 剂 DMF 的参与者数据。每个参与者的个体结果或许有所不同，本概述中不包括这些个体结果。

以下结果仅来自本研究。其它研究可能会有不同的结果。如有任何问题，请咨询您的研究医生或所属研究中心的工作人员。

以下问题为研究的**主要终点**。主要终点是研究人员希望获得解答的主要问题。

### 在接受 48 周 DMF 治疗期间，参与者一年内发生了多少次 MS 复发？

研究人员在整个治疗期间持续监测参与者是否出现 MS 复发的症状。他们统计受试者接受 DMF 治疗 48 周后出现的复发次数。

在本研究中，**复发**是指：

- MS 症状重新出现或加重
- 这些新症状持续至少 24 小时
- 这些症状发生在最近一次复发至少 30 天之后

由于治疗时间不足一年，研究人员根据每位参与者参与研究的时长，计算出每位参与者一年内平均复发的次数。

研究人员发现：

- 在服用 DMF 治疗 48 周期间，参与者平均每年复发次数约为 0.13 次。

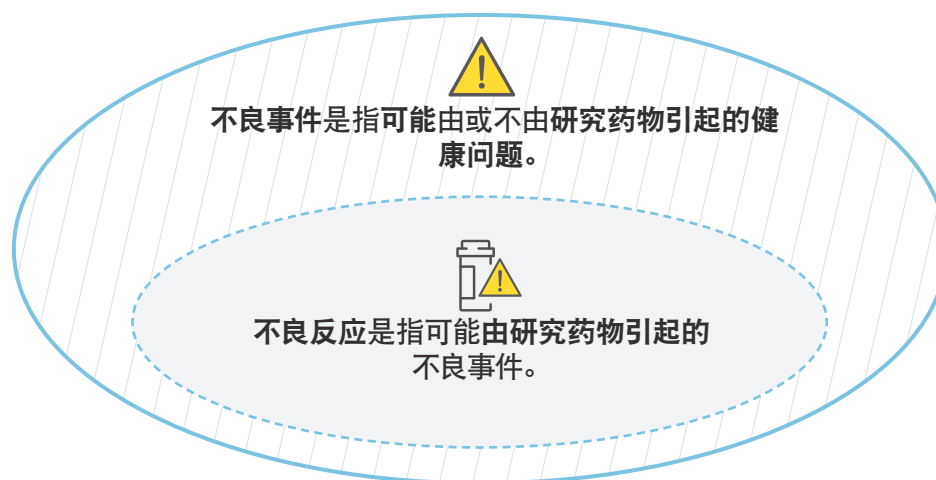
这意味着大多数参与者每年复发次数少于 1 次。

下表显示了研究期间出现复发的参与者人数。

48 周后有多少参与者出现复发？	
	DMF (60 名参与者)
未复发参与者	90% (54)
出现 1 次复发的参与者	8% (5)
出现 2 次复发的参与者	2% (1)

## 研究过程中可能发生的**不良反应**有哪些？

本部分汇总了研究过程中参与者的不良反应。



如果不良反应导致死亡、危及生命、造成长久问题或者需要住院治疗，则视其为**严重不良反应**。

每当研究新药时，研究人员都会跟踪记录研究过程中参与者出现的所有不良反应。每个人未必会经历同样的不良反应。

## 本研究中有多少参与者产生了不良反应？

下表所示为本研究中有多少参与者产生了不良反应。

<b>不良反应汇总</b>	
	<b>DMF (60 名参与者)</b>
有多少参与者产生了不良反应？	43% (26)
有多少参与者产生了严重不良反应？	0
有多少参与者因不良反应而停止治疗？	0
有多少参与者因不良反应而死亡？	0

## 本研究过程中最常见的严重不良反应有哪些？

研究期间未发生严重不良反应或死亡事件。

一名参与者因 MS 复发而停止治疗并提前退出研究。研究医生认为这与 DMF 无关。

## 本研究过程中最常见不良反应有哪些？

下表显示了在超过 5% 的参与者中发生的最常见不良反应。还有其它一些不良反应，但由于不常发生，因而未列入表中。

<b>最常见不良反应</b>	
	<b>DMF (60 名参与者)</b>
<b>血液中 ALT 水平升高 (可能为肝脏受损的一个迹象)</b> (丙氨酸氨基转移酶升高)	15% (9)
<b>血液中 AST 水平升高 (可能为肝脏受损的一个迹象)</b> (天冬氨酸氨基转移酶升高)	12% (7)
<b>血液中 GGT 水平升高 (可能为肝脏受损的一个迹象)</b> ( $\gamma$ -谷氨酰转移酶升高)	7% (4)
<b>腹泻</b>	7% (4)
<b>身体各部位发红</b> (脸红)	7% (4)

## 本研究对患者和研究人员有怎样的帮助？

这项研究帮助研究人员更深入地了解了 DMF 及其在帮助中国 RMS 患者方面的潜力。

总体而言，研究人员通过本研究发现：

- 大多数参与者在接受 DMF 治疗期间未出现 MS 复发。
- 未出现新的 DMF 安全性问题。
- 结果与先前研究的已知结果相似。

请注意，本概述中的结果仅来自于本研究。其它研究可能会有不同的结果。当前暂无 DMF 治疗 RMS 的其他研究计划。

## 关于本研究，在哪里可以了解更多内容？

请上网通过以下网站了解关于本研究的更多信息：

ClinicalTrials.gov	<a href="https://clinicaltrials.gov/study/NCT05658484">https://clinicaltrials.gov/study/NCT05658484</a> 
ChinaDrugTrials	<a href="http://www.chinadrugtrials.org.cn">http://www.chinadrugtrials.org.cn</a> 搜索 <input type="text" value="CTR20230654"/> 

**官方研究标题：**富马酸二甲酯 (Tecfidera; BG00012) 在中国复发型多发性硬化症 (RMS) 患者中的多中心、上市后研究

关于 DMF 或者本研究的结果，如有任何问题，请与所在研究中心的医生或工作人员进行沟通。

此处所呈现的结果是针对一项单独的研究得出的。请不要在未先咨询医生的情况下仅基于这些结果而改变您自己的治疗方案。

本研究申办方渤健公司总部位于美国马萨诸塞州剑桥市。

# 谢谢！



225 Binney Street  
Cambridge, MA 02142 (美国)  
ClinicalTrials@Biogen.com